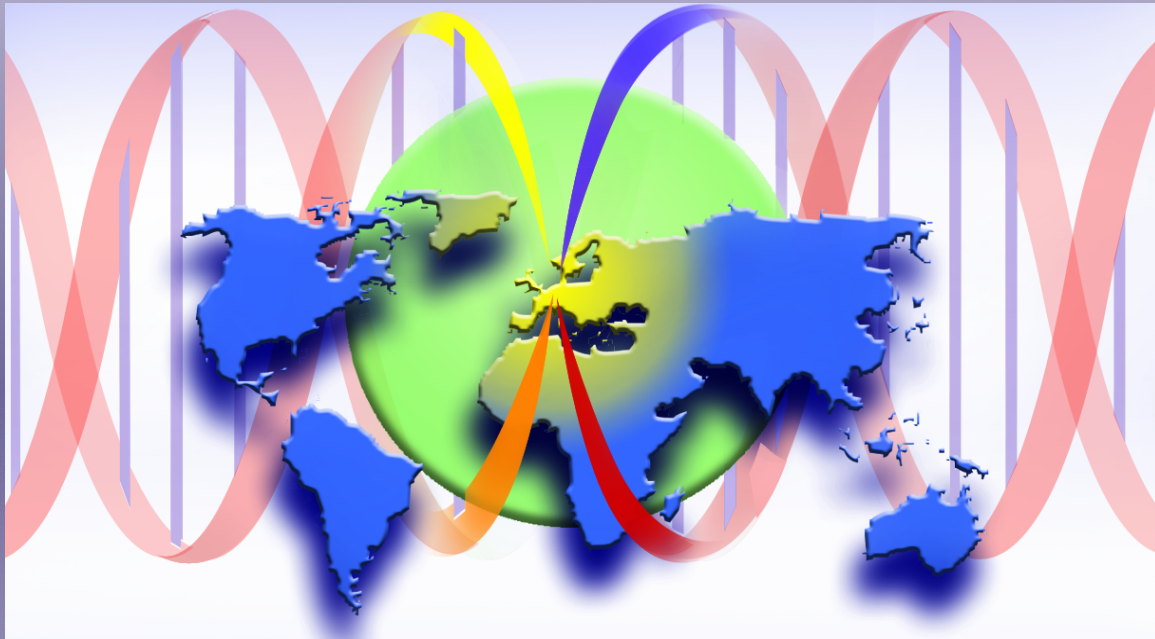


**4**<sup>th</sup>  
de  
te  
ème

**International Cystinosis Conference**  
**Internationale Cystinose Conferentie**  
**Internationale Cystinose-Konferenz**  
**Conférence Internationale sur la Cystinose**

*Working together for Cystinosis*



Conception graphique : Y.COUPPEY 06 10 30 83 18 - Siret : 481 621 886 00011 - Code APE : 923A

**Preliminary programme**  
**Voorlopig programma**  
**Vorläufiges Programm**  
**Pré programme**

**Official languages : English, Dutch, German\* and French\***

**Officiële congretaal : Engels, Nederlands, Duits\* en Frans\***

**Offizielle Sprachen : Englisch, Holländisch, Deutsch\* und Französisch\***

**Langues officielles : Anglais, Hollandais, Allemand\* et Français\***

\* If sufficient number of German and French participants - \* Bij voldoende deelnemers ook vertaling naar Duits of Frans

\* Wenn genügend deutsche und französische Teilnehmer kommen - \* Sous réserve d'un nombre suffisant de participants allemands et français

**NH-Hotel Leeuwenhorst, Noordwijkerhout, Nederland**

30 km. from Amsterdam - 30 km van Amsterdam - 30 km von Amsterdam - 30 km d'Amsterdam

**Main sponsors : Orphan Europe, Sigma Tau, Pfizer, J. Tromp Beheer BV**

# INVITATION - UITNODIGING EINLADUNG - INVITATION



It is a great pleasure for the Cystinosis Foundation, the AIRG to invite you to the 4<sup>th</sup> International Cystinosis Conference, which will take place in Noordwijkerhout, the Netherlands.

The cystinosis conferences are based on a tradition of excellence and bring together families living with Cystinosis, international medical professionals and researchers.

Your participation will contribute to a productive meeting which will include a challenging and exciting programme of workshops, plenary and parallel sessions.

We look forward to welcoming you to the 4<sup>th</sup> International Cystinosis Conference for which the theme is :

**Working together for Cystinosis**  
**June 30 – July 2, 2006**



Het is ons een groot genoegen u namens de Cystinosis Foundation, en AIRG uit te nodigen voor de 4<sup>de</sup> Internationale Cystinose Conferentie, welke gehouden zal worden in Noordwijkerhout. De cystinose conferenties hebben naam gemaakt door families die met cystinose te maken hebben samen te brengen met de internationale medische professionals op dit gebied. Uw deelname zal bijdragen tot een succesvolle bijeenkomst welke een uitstekend programma omvat met plenaire en parallel sessies en workshops.

We hopen u te mogen verwelkomen op de 4<sup>de</sup> Internationale Cystinose Conferentie. Het thema is :

**Samenwerken voor Cystinose**  
**30 juni tot en met 2 juli 2006**



Mit großer Freude möchten die Cystinosis Foundation, und AIRG Sie heute zu unserer 4. Internationalen Cystinose-Konferenz einladen. Sie wird in Noordwijkerhout in den Niederlanden stattfinden.

Wie bei den vorangegangenen internationalen Konferenzen soll auch diesmal der Austausch zwischen den weltweit renommiertesten Experten für Cystinose einerseits, den betreuenden Ärzten und betroffenen Familien andererseits im Vordergrund stehen.

Um diese Konferenz wirklich erfolgreich werden zu lassen, möchten wir Sie nicht nur zur Teilnahme einladen. Wir möchten Ihnen auch ein großes Forum bieten, Ihre Forschungen über Cystinose, alle Folge-Erkrankungen und Komplikationen und Ihre Erfahrungen mit Cystinose-Patienten und als Cystinose-Betroffene vorzustellen.

Wir freuen uns schon auf Sie ! Das Motto wird sein :

**Zusammenarbeiten für Cystinose**  
**30. Juni bis 2. Juli 2006**



C'est avec grand plaisir que Cystinosis Foundation, l'AIRG vous invitent à la 4<sup>ème</sup> Conférence Internationale sur la Cystinose, qui aura lieu à Noordwijkerhout aux Pays-Bas.

Les Conférences sur la Cystinose reposent sur une tradition d'excellence et rassemblent les familles vivant avec la Cystinose ainsi que les médecins et chercheurs internationaux.

Votre participation active contribuera à une réunion productive, avec un programme stimulant et passionnant ponctué par des sessions plénières, des sessions parallèles et des ateliers.

Dans l'attente de vous accueillir lors de la 4<sup>ème</sup> Conférence Internationale sur la Cystinose sur le thème :

**Ensemble pour la Cystinose**  
**30 Juin – 2 Juillet 2006**

ELENA LEVTCHENKO Conference Chair  
LEO MONNENS Conference co-Chair  
JEAN HOTZ President Cystinosis Foundation  
MARJOLEIN BOS President Cystinose Groep Nederland en België (VKS)  
FRANCOIS COUPPEY AIRG France

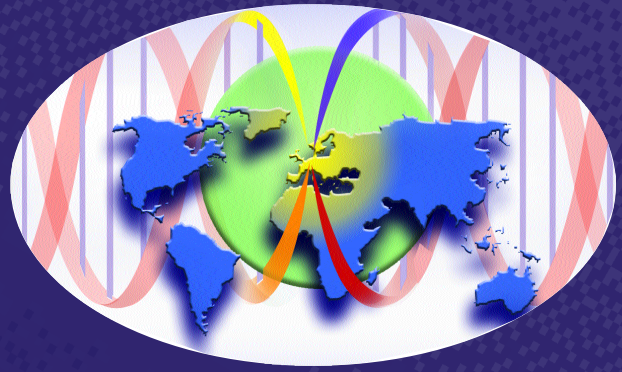
International Cystinosis Conference

Internationale Cystinose Conferentie

Internationale Cystinose-Konferenz

Conférence Internationale sur la Cystinose

**2006**



## **ORGANISATION**

Jean HOTZ  
Marjolein BOS

François COUPPEY  
Samantha PARKER  
Claudia SPROEDT  
Freek WONNINK  
Frank RITCHIE  
Brian LONG  
Victor Gomez MOLINA  
Anne-Marie O'DOWD  
Holly REUTER  
Jonathan TERRY

## **SCIENTIFIC COMMITTEE**

Elena LEVTCHENKO  
Henk BLOM  
Leo MONNENS  
William GAHL  
Patrick NIAUDET  
William VAN'T HOFF

Cystinosis Foundation President  
Cystinose Groep Nederland en België (VKS)  
AIRG Nederland  
AIRG France  
Orphan Europe, Paris  
Cystinose Selbsthilfe, Germany  
The Netherlands  
Cystinosis Foundation  
UK  
Mexico  
Ireland  
USA  
UK

The Netherlands  
The Netherlands  
The Netherlands  
USA  
France  
UK

International Cystinosis Conference  
 Internationale Cystinose Conferentie  
 Internationale Cystinose-Konferenz  
 Conférence Internationale sur la Cystinose

**2006**

**FRIDAY 30<sup>TH</sup> JUNE – MORNING SESSION**

**9:00 Plenary session**

**Chair : P. Niaudet**

15' Welcome/Introduction	E. Levchenko/ L. Monnens / M. Bos
20' Cystinosis in 2006	W. Gahl
20' Gene therapy in cystinosis: what can we learn from other diseases	N. Knoers
20' General discussion	P. Niaudet
30' Break	

**10:45 Parallel session for professionals**

**Chair : E. Harms**

20' Molecular pathogenesis of cystinosis	C. Antignac
15' New aspects learnt from mice lacking cystinosin	V. Kalatzis
20' Pathogenesis of cell dysfunction in cystinosis	F. Emma
15' Cystine dimethyl ester model of cystinosis: still reliable?	E. Levchenko
20' New tools for studying the pathogenesis of cystinosis	L. van den Heuvel

**10:45 Parallel session for families**

**Chair : M. Bos**

15' Introduction and welcome	J. Hotz/ M. Bos/ F. Couppey
90' Living with cystinosis : Subjects to include: feeding, overprotection, coping for siblings & parents, compliance	Panel : F. Couppey, A.M. O'Dowd, I. Hulstijn, D. Trauner, Dietician (A. van den Berg)

**12:30**

**Buffet/ lunch**

**FRIDAY 30<sup>TH</sup> JUNE – AFTERNOON SESSION**

**14:00 Parallel session for professionals**

**Chair : H Blom**

90' Oral presentation of selected abstracts	
30' Break / Poster presentation of the selected abstracts	

**14:00 Parallel session for families**

**Chair : J. Hotz**

90' Reports from around the world	
30' Break	

**16:00 Plenary session**

**Chair : C. Loirat**

60' Testimonies	
15' Gianfranco Rizzoni Award	M. Broyer/F. Emma

International Cystinosis Conference  
 Internationale Cystinose Conferentie  
 Internationale Cystinose-Konferenz  
 Conférence Internationale sur la Cystinose

**2006**

**SATURDAY 1<sup>ST</sup> JULY MORNING SESSION**

<b>9:00 Plenary session</b>	<b>Chair : J. Schneider</b>
15' Treatment of kidney disease in cystinosis	C. Loirat
10' Ocular involvement in cystinosis	H. Cruysberg
10' Muscular dysfunction and swallowing difficulties	B. Sonies
10' Renal bone disease	C. Langman
20' Q & A	
15' Growth performance, fertility and endocrine status	P. Niaudet
15' Cognitive functions in cystinosis patients : data from US Data from the Netherlands	D. Trauner/comment I. Hulstijn
20' Q & A	
30' Break	
20' Clinical data base	W. Van't Hoff
10' Cystine measurement, data from the Netherlands	H. Blom
10' Quality of cystine measurement	N. Dalton

**12:40**

**Buffet / Lunch**

**SATURDAY 1<sup>ST</sup> JULY AFTERNOON SESSION**

<b>14:00 Plenary session</b>	<b>Chair : M. Broyer</b>
15' Results of cysteamine therapy starting from early age	R. Kleta
10' Compliance with cysteamine therapy	E. Levchenko
15' Effect of cysteamine on late complications	W. Gahl
15' Q & A	
15' Gastrointestinal issues in cystinosis	R. Dohil
10' Advances in pro-drug development	R. Anderson
10' Renal transplantation in cystinosis	P. Niaudet
25' Optimal dosing regimen of cysteamine* therapy & discussion	W. Van't Hoff
20' Break	
<b>16:30 Workshop for families with young children</b> <b>Panel : Parents, C. Loirat,</b> <b>A. van den Berg, I. Hulstijn</b>	<b>Chair : W. van't Hoff</b>
60' Feeding difficulties, drug intake, growth, development	

\* Mercaptamine bitartrate

International Cystinosis Conference  
Internationale Cystinose Conferentie  
Internationale Cystinose-Konferenz  
Conférence Internationale sur la Cystinose

**2006**

**SATURDAY 1<sup>ST</sup> JULY AFTERNOON SESSION**

**16:30 Workshop for adults and adolescents**  
**Panel : Adult patient, D. Rozendal,**  
**A.Watson, E. Harms**

**Chair : W. Gahl**

20' Transition issues in cystinosis  
*Feed back from transition pack*  
Clinicians perspective  
Patients perspective

A. Watson  
To be confirmed

40' Q&A (including issues of treatment compliance)

**SUNDAY 2<sup>ND</sup> JULY MORNING SESSION**

**9:00 Workshop : exercise**

**Organised by E Levtchenko**

15' Role of physical exercise for patients with renal disease  
90' Working out in Cystinosis  
30' Break

D. Creemers  
Mack Maxwell

**12:00 Plenary session**

**Chair : L. Monnens**

30' Working together on cystinosis  
15' Closing remarks

W. van't Hoff  
E. Levtchenko / M. Bos / J Hotz

**12:45**

**buffet / lunch**

The conference has been kindly sponsored by  
Orphan Europe,  
Sigma Tau,  
Pfizer,  
J. Tromp beheer BV